



**Opinia Prezesa
Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
nr 17/2016 z dnia 4 lutego 2016 r.
o projekcie programu polityki zdrowotnej pn. „Program profilaktyki
i wczesnego wykrywania chorób nowotworowych u dzieci z Gminy
Jawor na lata 2016-2017”**

Po zapoznaniu się z opinią Rady Przejrzystości negatywnie opiniuję projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób nowotworowych u dzieci z Gminy Jawor na lata 2016-2017”.

Uzasadnienie

Przedstawiony projekt programu polityki zdrowotnej dotyczy istotnej kwestii nowotworów u dzieci.

Główną przesłanką za negatywną opinią Prezesa Agencji jest zaplanowanie badań łatwo dostępnych i finansowanych w ramach NFZ. Wykonywanie badań laboratoryjnych oraz ultrasonograficznych w ramach programu może powodować podwójne finansowanie świadczeń.

W projekcie w sposób spójny przedstawiono cele i oczekiwane efekty. Warto doprecyzować mierniki efektywności tak, aby określały stopień realizacji założonych celów.

W programie założono uczestnictwo dzieci w wieku szkolnym oraz ich rodziców/ opiekunów prawnych. Nie wskazano jednak uzasadnienia dla tak wybranej populacji docelowej. Brak jest również wskazania konkretnych kryteriów kwalifikacji do programu, którymi kierować się będzie lekarz POZ przy zlecaniu badań diagnostycznych. Warto mieć przy tym na uwadze, że niewskazanie uzasadnienia dla prowadzenia badań przesiewowych w kierunku chorób nowotworowych w populacji bezobjawowej.

W odniesieniu do zaplanowanych interwencji zasadne wydaje się prowadzenie działań edukacyjnych ukierunkowanych na zachowania prozdrowotne oraz podwyższanie świadomości z zakresu profilaktyki nowotworowej.

W ramach zaplanowanego monitorowania warto doprecyzować ocenę efektywności, tak aby zawierała wskaźniki odnoszące się do oceny wpływu danych interwencji na zdrowie populacji.

Istotną kwestią jest także odpowiednie zaplanowanie kontynuacji świadczeń zdrowotnych w przypadku odnotowania nieprawidłowych wyników badań.

Przedstawiony budżet budzi zastrzeżenia pod kątem liczby zaplanowanych badań. Jak wynika z opisu populacji w programie zakłada się wprowadzenie kryteriów kwalifikacji, w budżecie natomiast skalkulowano całościowy koszt programu w oparciu o udział całej populacji docelowej. Warto kwestię tę doprecyzować.

Przedmiot opinii



Przedmiotem opinii jest projekt programu polityki zdrowotnej dotyczący wczesnego wykrywania chorób nowotworowych wśród dzieci. Budżet przeznaczony na realizację programu wynosi 95.829,50 zł, zaś okres realizacji to lata 2016-2017.

Opinia Prezesa Agencji została przygotowana w oparciu o ocenę technologii medycznej proponowanej w ramach programu polityki zdrowotnej zgodnie z kryteriami zawartymi w art. 31a ust. 1 i art. 48 ust. 4 ustawy o świadczeniach wraz z oceną założeń projektu programu polityki zdrowotnej, które wspierają efektywność kliniczną i kosztową technologii medycznej planowanej w programie.

Ocena projektu programu polityki zdrowotnej

Znaczenie problemu zdrowotnego

Przedmiotowy projekt programu polityki zdrowotnej dotyczy ważnego problemu jakim są nowotwory wieku dziecięcego. W projekcie w sposób ogólny opisano problem zdrowotny. Odniesiono się także do regionalnych danych epidemiologicznych.

Należy podkreślić, że nowotwory u dzieci są o wiele rzadszym problemem niż u dorosłych. Stanowią one blisko 2% nowotworów w populacji generalnej. Wśród dzieci poniżej 15 roku życia pozostają nadal drugą przyczyną zgonów. Zgodnie z danymi przedstawionymi przez Polskie Towarzystwo Onkologiczne standaryzowany współczynnik zachorowań na nowotwory w Polsce oscylował w granicach 134,1/1 milion osób w 2006 r. Był on nieznacznie niższy niż średnia dla całej UE (stan na rok 2006). Dominującymi nowotworami były białaczki oraz nowotwory układu nerwowego.

Cele i efekty programu

Celem głównym programu jest zwiększenie wczesnej wykrywalności zachorowań na choroby nowotworowe u dzieci poprzez przeprowadzenie badań skriningowych, oraz zwiększenie świadomości zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania i możliwości zapobiegania chorobom nowotworowym u dzieci poprzez edukację. Dodatkowo wskazano 4 cele szczegółowe. Warto przy definiowaniu celu głównego i celów szczegółowych posłużyć się metodą SMART, według której cel powinien być: konkretny, mierzalny, osiągalny, realny i określony w czasie.

Przedstawione oczekiwane efekty pozostają w spójności z postawionymi celami.

Przedstawione w projekcie mierniki efektywności odnoszą się głównie do oceny zgłaszalności i przebiegu programu. Proszę mieć na uwadze, że rolą mierników jest zbadanie stopnia realizacji celów. W związku z tym warto w ocenianym programie wskazać liczbę odnotowanych nieprawidłowych wyników badań oraz liczbę dzieci skierowanych do dalszej diagnostyki. Warto także zweryfikować stan wiedzy uczestników po przeprowadzeniu działań edukacyjnych.

Populacja docelowa

Populację docelową projektu programu stanowią dzieci w wieku 6-13 lat, uczęszczające do szkół podstawowych na terenie gminy Jawor (klasy 1-6). Oszacowano liczebność potencjalnych uczestników programu na 1643 dzieci w ww. grupie wiekowej. Określono również liczbę osób zakwalifikowaną do części edukacyjnej programu (tj. dzieci od 6 do 13 r.ż. oraz ich rodziców/opiekunów prawnych), na ok. 4 tys. osób. Projekt zakłada blisko 100% frekwencję.

W przedstawionych w projekcie kryteriach włączenia do programu wskazuje się, że w wyniku wstępnej weryfikacji lekarzy POZ do programu zostaną zakwalifikowane dzieci z grup wysokiego ryzyka wystąpienia choroby nowotworowej. Z kolei, w zestawieniu kosztów jednostkowych programu podkreśla się wykonanie zaplanowanych interwencji u wszystkich dzieci w klasach 1-6 szkół podstawowych, w gminie Jawor. Budzi to wątpliwości w kwestii kwalifikowania uczestników do programu, zatem należy się do tej kwestii ustosunkować. Należy mieć na uwadze, że prowadzenie zaplanowanych interwencji w populacji bezobjawowej nie znajduje swojego uzasadnienia w rekomendacjach.

Interwencja

Projekt programu przewiduje wykonanie diagnostyki laboratoryjnej (tj. morfologii krwi oraz badania ogólnego moczu) i diagnostyki ultrasonograficznej jamy brzusznej. Przewiduje się również wykonanie specjalistycznych konsultacji lekarza hematologa oraz akcję edukacyjną w postaci 20 spotkań z dietetykiem.

Należy zaznaczyć, że ww. interwencje są świadczeniami gwarantowanymi w ramach podstawowej opieki zdrowotnej oraz ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Istnieje zatem ryzyko podwójnego finansowania świadczeń już finansowanych.

Jedynie działalność edukacyjna w postaci spotkań z dietetykiem (zarówno rodziców/opiekunów prawnych, jak i dzieci uczęszczających do szkół podstawowych w gminie) wydaje się być istotną wartością dodaną zaplanowanych interwencji. Jednak w projekcie nie odniesiono się w sposób szczegółowy do zaplanowanej edukacji, co warto uzupełnić uwzględniając w opisie zakres tematyczny spotkań, ich długość oraz częstotliwość.

Należy wskazać, że wspomniana wcześniej kwalifikacja do programu stanowi istotny element programu. W projekcie nie określono jakimi konkretnie kryteriami posługiwać się będzie lekarz POZ przy kierowaniu do badań laboratoryjnych oraz USG. Ponadto istotne jest także określenie jasnych reguł przechodzenia pacjentów do kolejnego etapu programu. Proszę mieć także na uwadze dostępne wytyczne i rekomendacje, zgodnie z którymi do objawów wymagających pilnej diagnostyki należy zaliczyć: nieprawidłową liczbę krwinek, wybroczyny, zmęczenie związane z ogólnym powiększeniem węzłów chłonnych lub hepatosplenomegalią, rozproszony ból kostny, ograniczona aktywność, powiększenie węzłów chłonnych zwłaszcza, jeśli brakuje dowodów infekcji, ból głowy, wymioty, zaburzenia neurologiczne, zmiany zachowania lub pogorszenie wyników szkolnych, masy wyczuwalne w obrębie tkanek miękkich, zwłaszcza jeśli charakteryzują się szybkim wzrostem.

Monitorowanie i ewaluacja

W ramach programu przewidziano jego monitorowanie i ewaluacji. W sposób prawidłowy opisano wskaźniki, które zostaną wykorzystane w ocenie zgłaszalności oraz jakości udzielanych świadczeń. Warto jednak zwrócić uwagę na ocenę efektywności programu, która powinna zostać oparta o wskaźniki, które skupiać się będą na określeniu wpływu danych interwencji na zdrowie populacji. W tym celu zasadne jest określenie liczby odnotowanych nieprawidłowych wyników badań oraz wskazanie odsetka pacjentów skierowanych do dalszej diagnostyki. Warto także ocenić stan wiedzy uczestników po zakończonej edukacji zdrowotnej.

Istotne, co zostało uwzględnione w projekcie, jest ewaluacja programu w formie analizy statystycznej wykrywalności nowotworów.

Warunki realizacji

Realizator programu zostanie wyłoniony w ramach otwartego konkursu ofert, co jest zgodne z zapisami ustawowymi. Wskazano także kompetencje i warunki niezbędne do realizacji programu.

W projekcie wskazano sposób zakończenia udziału w programie. Istotne jest także zaplanowanie możliwości kontynuacji świadczeń w przypadku wystąpienia nieprawidłowych wyników badań, tak aby pacjent został objęty odpowiednią opieką po zakończeniu uczestnictwa.

Zaplanowane koszty całkowite prowadzenia programu wynoszą 95 829, 50 zł. W projekcie wskazano koszty poszczególnych składowych budżetu. Wątpliwość budzi jednak przedstawienie kosztorysu dla całej populacji docelowej, przy założeniu, że z badań skorzystają tylko dzieci zakwalifikowane przez lekarza POZ. Warto się do tej kwestii ustosunkować.

Wnioski z oceny technologii medycznej przeprowadzonej przez Agencję

Problem zdrowotny

Nowotwory u dzieci umiejscawiają się głównie w szpiku, układzie chłonnym, ośrodkowym układzie nerwowym, nerkach, układzie współczulnym, tkankach miękkich, kościach, gonadach, wątrobie i w siatkówce. Ich najistotniejszą cechą odróżniającą je od nowotworów dorosłych jest ich nie nabłonkowe pochodzenie. Są to nowotwory mało zróżnicowane, w obrazie mikroskopowym

większość z nich to nowotwory drobnookrągłokomórkowe. Cechują się dużą frakcją wzrostową i dynamiką wzrostu. Nawet dobowy zwłoka może skutkować podwojeniem masy guza, a tym samym zagrozić życiu dziecka. Dla białaczek i nieziarnicznych chłoniaków złośliwych podwojenie frakcji wzrostowej występuje w ciągu kilkunastu godzin, natomiast w przypadku guzów litych w ciągu około 3 tygodni, a w przypadku raków podwojenie frakcji wzrostowej następuje w ciągu około 3 miesięcy. W związku z dużą dynamiką nowotworów dziecięcych, w trakcie rozpoznania proces chorobowy jest już najczęściej bardzo zaawansowany, ale też duża dynamika wzrostu wiąże się ze znacznie wyższą wrażliwością na chemioterapię.

Niezależnie od stadium nowotworu trwale można wyleczyć 75% dzieci, a im mniejsza jest masa nowotworu tym skuteczniejsze jest leczenie, a wczesne działania niepożądane i odległe następstwa mniejsze.

Alternatywne świadczenia

Zgodnie z treścią Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 grudnia 2014 r. zmieniającego rozporządzenie w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej (w Załączniku 1 - Części IV - Świadczenia medycznej diagnostyki laboratoryjnej lub diagnostyki obrazowej i nieobrazowej związane z realizacją świadczeń lekarza podstawowej opieki zdrowotnej) lekarz może zlecić następującą diagnostykę ultrasonograficzną (USG tarczycy i przytarczyc, ślinianek; nerek, moczowodów, pęcherza moczowego, brzucha i przestrzeni zaotrzewnowej, w tym wstępnej oceny gruczołu krokowego, USG obwodowych węzłów chłonnych).

Zgodnie z Rozporządzeniem MZ ws. świadczeń gwarantowanych w ramach AOS z 20 października 2014 r. - Załącznik nr 2 – badania USG wykonywane są również w ramach opieki ambulatoryjnej USG brzucha, moszny, naczyń szyi, węzłów chłonnych czy tarczycy.

Ponadto, w ramach tzw. pakietu onkologicznego lekarz POZ powinien przeprowadzić dokładny wywiad z pacjentem oraz ocenę jego dolegliwości. Może również zlecić wykonanie badań m.in.: hematologicznych, biochemicznych i immunochemicznych z surowicy krwi, a także badań elektrokardiograficznych, ultrasonograficznych oraz spirometrię. Pacjent, u którego lekarz POZ podejrzewa nowotwór złośliwy (jeśli na podstawie wykonanych badań nie wykluczy tej choroby), otrzymuje kartę diagnostyki i leczenia onkologicznego, dzięki której szybko dostanie się do odpowiedniego specjalisty. Za kolejne etapy diagnostyki w ramach pakietu onkologicznego, tj. wstępną i pogłębioną, odpowiedzialny jest lekarz AOS. Wprowadzenie pakietu nie oznacza jednak, że na lekarzy POZ został nałożony obowiązek diagnozowania raka. Natomiast rozwiązanie to generuje łatwiejszy i szybszy dostęp do leczenia u pacjentów onkologicznych.

Ocena technologii medycznej

Rekomendacje zgodnie wskazują, że szybki dostęp do odpowiedniej diagnostyki obrazowej (włączając w to medycynę nuklearną) jest znaczący w przypadku dzieci lub młodzieży z podejrzeniem lub z potwierdzonym procesem nowotworowym. Obrazowanie u młodszych dzieci lub u noworodków nastręcza pewnych trudności, dlatego te procedury powinny być wykonywane w centrach z odpowiednim doświadczeniem.

Zgodnie z wytycznymi (m.in. National Institute for Health and Clinical Excellence) w przypadku wystąpienia następujących objawów zaleca się jak najszybszą diagnostykę:

- nieprawidłowa liczba krwinek,
- wybroczyny,
- zmęczenie u wcześniej zdrowych dzieci zwłaszcza jeśli jest związane z ogólnym powiększeniem węzłów chłonnych lub hepatosplenomegalią,
- ból kostny zwłaszcza jeśli jest rozproszony lub obejmuje plecy, jest trwale zlokalizowany w jednym miejscu, wymaga znieczulenia, ogranicza aktywność,
- powiększenie węzłów chłonnych zwłaszcza jeśli brakuje dowodów infekcji, a ponadto:
 - rozmiar węzła chłonnego przekracza 3 cm w największym wymiarze,

- obserwuje się stałe powiększanie węzła chłonnego,
- pojawiają się objawy ogólne takie jak gorączka czy spadek masy ciała,
- powiększenie węzłów chłonnych dotyczy węzłów pachowych lub nadobojczykowych,
- widoczne są na zdjęciu RTG jako masy w obrębie klatki piersiowej,
- ból głowy, zwłaszcza jeśli narasta jego siła lub częstość, wiąże się z porannym złym samopoczuciem, wymiotami, zaburzeniami neurologicznymi (zez, ataksja), zmianami zachowania lub pogorszeniem wyników szkolnych,
- masy wyczuwalne w obrębie tkanek miękkich, zwłaszcza jeśli charakteryzują się szybkim wzrostem, rozmiarem przekraczającym 3 cm w największym wymiarze, są związane z powięzią, towarzyszy im powiększenie regionalnego węzła chłonnego.

Zgodnie z opiniami ekspertów w ramach wczesnego wykrywania nowotworów warto zaplanować także diagnostykę z wykorzystaniem badań genetycznych, CT, MR, PET. Ponadto wskazuje się, że programy z zakresu wczesnej diagnostyki nowotworowej u dzieci powinny być realizowane i finansowane w ramach środków publicznych.

W określaniu populacji badanej ważne jest szczególne uwzględnienie populacji z grup ryzyka grupy ryzyka częstszego występowania chorób nowotworowych, tj. zespoły genetyczne i wady wrodzone towarzyszące poszczególnym nowotworom, w szczególności guzom mózgu, w których okres od wystąpienia pierwszych objawów do ustalenia rozpoznania jest najdłuższy. W przypadku wystąpienia zez, kociego błysku, konieczne jest badanie dna oka w znieczuleniu ogólnym oraz włączenie do badania ośrodka okulistycznego, wykwalifikowanego w rozpoznawaniu retinoblastoma u dzieci. W przypadku guza pnia mózgu konieczne będzie wykonanie MR.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, opiniuję, jak na wstępie.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 1 i 3 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r., poz. 581), z uwzględnieniem raportu: AOTMiT-OT-441-251/2015 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób nowotworowych u dzieci z Gminy Jawor na lata 2016-2017” realizowany przez: Gminę Jawor, Warszawa, styczeń 2016 oraz aneksu do raportów szczegółowych „Programy w zakresie wczesnej diagnostyki obrazowej nowotworów u dzieci - wspólne podstawy oceny” lipiec 2012 r.